

RECENSEMENT ESSAIS CLINIQUES

Hémophilie et autres déficits rares en protéines de la coagulation

Pathologie	Sévérité	Limite âge	Promoteur	Financement (Industriel, Grant, PHRC...)	Molécule	Titre abrégé	Titre protocole	N° EUDRACT (si sur médicament) ou N° ID RCB	N° ClinicalTrials.gov	CRO	Phase/Catégorie	Centre coordinateur	Centres associés ouverts en France	Nombre de centres ouverts en France	Nombre de patients attendus France	Nombre de patients inclus France	Date théorique de fin des inclusions	Nombre de patients attendus Monde / Europe	Nombre de centres ouverts dans le monde	Etat d'avancement	Commentaires	
Hémophilie A	Toutes sévérités	≥ 6 et ≤ 40 ans	SOBI	Industriel	NA	A-MOVE	Une étude évalue l'impact d'un examen articulaire systématique par sur la prise en charge de patients souffrant d'hémophilie A	2019-001647-50	NCT04133883	KANTAR HEALTH	RIPH 2	Caen	Tours, Toulouse, Rouen, Reims, Pottiers, Paris, Nantes, Nancy, Montpellier, Marseille, Lyon, Le Kremlin-Bicêtre, Dijon, Clermont-Ferrand, Chambéry, Caen, Brest, Bordeaux et Angers, Strasbourg	20	100 patients	88	01/07/2021			fermée aux inclusions	L'objectif général de l'étude est de déterminer si les décisions de prise en charge de l'hémophilie sont influencées par un examen systématique (par échographie/exploration fonctionnelle/examen clinique) des articulations chez des patients atteints d'hémophilie A.	
Hémophilie A	Sévère	> 18 ans	Takeda	Industriel	NA	BAXALTA - 201501 - BAX888 - Therapie Génique	A Global, Open-Label, Multicenter, Phase 1/2 Study of the Safety and Dose Escalation of BAX 888, an Adeno-Associated Virus Serotype 8 (AAV8) Vector Expressing B-Domain Deleted Factor VIII (BDD-FVIII) in Severe Hemophilia A Subjects Administered a Single Intravenous Infusion	2015-005576-22	NCT03370172		1/2	Lyon	Lille, Nantes, le Kremlin-Bicêtre, Rennes									NA
Hémophilie A	Sévère	> 18 ans	Biomarin	Industriel	BMN 270, an Adeno-Associated Virus	270-302	Étude de phase 3 ouverte, à un seul bras, destinée à évaluer l'efficacité et la tolérance du BMN-270, un vecteur viral adéno-associé pour le transfert de gène du facteur VIII humain à une dose de 4E13 ug/kg chez des patients atteints d'hémophilie A ayant des taux de base de FVIII ≤ 1 UI/L et recevant des injections de FVIII en prophylaxie	NC	NCT03392974	PSI	3	NC	le Kremlin-Bicêtre	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NA
Hémophilie A	Sévère	> 18 ans	Biomarin	Industriel	NA	270-902	A Prospective Non-interventional Study of Bleeding Episodes, Factor VIII Infusions, and Patient-Reported Outcomes in Individuals with Severe Hemophilia A	NC	NC	PSI	Observationnelle	NC	le Kremlin-Bicêtre	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NA
Hémophilie A	Sévère	≥ 12 ans	Sanofi	Industriel	BIV001	EFC16295 - Xtend	A Phase 3 Open-Label, Multicenter Study of the Safety, Efficacy, and Pharmacokinetics of Intravenous Recombinant Coagulation Factor VIII Fc-von Willebrand Factor-XTEN Fusion Protein (FVIII-Fc-VWF-XTEN; BIV001) in Previously Treated Patients ≥12 Years of Age With Severe Hemophilia A	2019-002023-15	NCT04616495	NC	3	Lille	Brest, Lyon, Marseille	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NA
Hémophilie A	Sévère	< 12 ans	Sanofi	Industriel	BIV001	EFC16295 - Xtend Kids	A Phase 3 Open-Label, Multicenter Study of the Safety, Efficacy, and Pharmacokinetics of Intravenous Recombinant Coagulation Factor VIII Fc-von Willebrand Factor-XTEN Fusion Protein (FVIII-Fc-VWF-XTEN; BIV001) in Previously Treated Patients <12 Years of Age With Severe Hemophilia A	2020-000769-18	NC	NC	3	Lille	Lyon, le Kremlin-Bicêtre	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NA
Hémophilie A	Toutes sévérités confondues	≤ 17 ans	Octapharma AG	Industriel	Octanate*, Wilate*ou Nuwiq*	GENA 25	Utilisation dans la pratique des concentrés de FVIII d'Octapharma chez des patients atteints d'hémophilie A suite de traitement, ou ayant reçu un traitement minimum, et comme Enceint un traitement Clinique de routine (par Nuwiq, Octanate ou Wilate). Etude observationnelle évaluant l'efficacité et la sécurité d'emploi dans la pratique réelle.	2018-003121-54-Protocole N°GENA-25	NCT03659578	Synco Health Mb UK Limited	Observationnelle	prof.Johannes Oldenburg Institute of Experimental Hematology and Transfusion Medicine (Allemagne)	Montmorency, Nantes, Saint-Etienne, Lyon	NC	NC	NC	01/06/2022	140	NC	Fin d'inclusion Juin 2022	RAS	
Hémophilie A	Sévère et Modéré	Tout âge	Octapharma	Industriel	Nuwiq*	GENA 99	Non-interventional Post-authorization Study to Document the Immunogenicity, Safety, and Efficacy of NUWIQ	NC	NCT02962765	Synco Health	PMS	Hôpital Necker	Nantes	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	1 à Nantes
Hémophilie A	Modérée, mineure	Tout âge	CHU Rennes		Cometh	GIDEMAC	Genetic influence on desmopressin response in Haemophilia A carriers					Rennes	Dijon, Nancy, Tours									NA
Hémophilie A	Modérée, mineure	Tout âge	CHU Rennes/BERHLINGO		CoMETH	GIDEMHA	Genetic determinants of the desmopressin response in patients with mild/moderate hemophilia A	NC	NC	CHU Rennes	4	Rennes	Tours	4	439	439	2022	Aucun	Qu'en France	En cours		NA
Hémophilie A	Sévère	≥ 12 ans	Roche	Industriel	Émicizumab	HAVIN 3 (BH30071)	A Randomized, Multicenter, Open-Label, Phase III Clinical Trial to Evaluate the Efficacy, Safety, and Pharmacokinetics of Prophylactic Efficizumab Versus no Prophylaxis in Hemophilia A Patients Without Inhibitors	2016-000072-17	NCT02847637	NC	3	Lyon	Lille, Necker, le Kremlin-Bicêtre	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NA
Hémophilie A	Sévère	≥ 12 ans	Roche	Industriel	Émicizumab	HAVIN 6	A Multicenter, Open-Label Study to Evaluate the Safety, Efficacy, Pharmacokinetics, and Pharmacodynamics of Efficizumab in Patients With Mild or Moderate Hemophilia A Without FVIII Inhibitors	2019-002179-32	NCT04158648	NC	3	Necker	Lille, Lyon, le Kremlin-Bicêtre	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NA
Hémophilie A	Sévère	3 mois -> 0-12 mois avec cohortes 0-3 mois et 3-12 mois	F. Hoffmann-La Roche TD	Industriel	Émicizumab	HAVIN-7	Étude de phase IIIb, multicentrique en ouvert, à bras unique, destinée à évaluer l'efficacité, la sécurité d'emploi, la pharmacocinétique et la pharmacodynamie de l'émicizumab en sous-cohortes chez des patients de la naissance jusqu'à 12 mois atteints d'hémophilie A sans inhibiteurs	2020-001733-12	NCT04431726	IQVIA	Phase 3b	Kremlin-Bicêtre	Lille, Marseille, Necker, le Kremlin-Bicêtre	3	5	1	44682	50	47	41 patients recrutés	NA	
Hémophilie A	Sévère	Entre 18 et 65 ans	APHM	HERO Research Grant Core Faculty and Novo Nordisk 2016	NA	INTHEMO	Évaluer et comparer les problématiques professionnelles rencontrées par des adultes atteints d'hémophilie sévère, avec un groupe de référence issu de la population générale française, ainsi qu'avec un groupe de personnes atteintes d'autres maladies chroniques débilitantes dans l'enfance ou l'adolescence, afin de décrire l'impact de l'hémophilie sur l'insertion professionnelle	ID-RCB : 2017-002930-53	NCT03301376	NA	Recherche biomédicale impliquant la personne humaine (RPH) - Non interventionnelle (catégorie 3) défini par le Code de la Santé Publique, titre II, livre 1er, recherche biomédicale) / MR-003	EA3279 (Aix-Marseille Univ) / Service d'Epidémiologie et d'Economie de la Santé (AP-HM)	Lyon, Lille, le Kremlin-Bicêtre	29	1050	589	43978	NA	NA	Publication de résultats en cours	NA	
Hémophilie A	Toutes sévérités	> 18 ans	Sanofi	Industriel	BIV001	LTS16294 Xtend ed	A Phase 3 open-label, multicenter study of the long-term safety and efficacy of intravenous recombinant coagulation factor VIII Fc-von Willebrand factor-XTEN fusion protein (FVIII-Fc-VWF-XTEN; BIV001) in Previously Treated Patients with severe hemophilia A	2020-002215-22	NCT04644575	Sanofi	RIPH 1 / III	Lille	Brest, Lyon, Marseille, le Kremlin-Bicêtre							Suivi en cours	NA	
Hémophilie A	Toutes sévérités	Tout âge	CHU Nantes/BERHLINGO	Industriel	FVIII (tous les produits)	MOTIF 2	Therapeutic management and use of clotting factors in hemophilia A and B in France	?	?	CHU Nantes	4	Nantes	Rennes	4	400 ?	400 ?	2021	Aucun	Qu'en France	Obtournée. Analyses stats en cours	NA	
Hémophilie A	Sévère avec inhibiteur	> 18 ans	Octapharma	Industriel	, Octanate, Wilate, Efficizumab, rFVIII	MOTIVATE	Modern Treatment of Inhibitor Positiv Patients with Hemophilia A – An International Low-Interventional Pragmatic Investigator Initiated Trial (Traitement moderne des patients atteints d'hémophilie A et porteurs d'inhibiteurs – Essai international pragmatique peu interventionnel initié par l'investigateur	2019-003427-38	NCT04023019	SYNCO Health	Observationnelle	Saint-Etienne	Caen, Clamart, Lariboisière, Necker, Rennes, Rouen, Sain-Denis (2 sites), Saint-Etienne, le Kremlin-Bicêtre	9	47	4 en pédiatrie	120	NA	inclusion	NA		

RECENSEMENT ESSAIS CLINIQUES

Hémophilie et autres déficits rares en protéines de la coagulation

Pathologie	Sévérité	Limite d'âge	Promoteur	Financement (Industriel, Grant, PHRC...)	Molécule	Titre abrégé	Titre protocole	N° EUDRACT (si sur médicament) ou N° ID RCB	N° ClinicalTrials.gov	CRO	Phase/Catégorie	Centre coordinateur	Centres associés ouverts en France	Nombre de centres ouverts en France	Nombre de patients attendus France	Nombre de patients inclus France	Date théorique de fin des inclusions	Nombre de patients attendus Monde / Europe	Nombre de centres ouverts dans le monde	Etat d'avancement	Commentaires	
Hémophilie A	Toutes sévérités	Tout âge	CSL Behring	Industriel	rVIII (Aristyle™)	OPEBA	Observatoire des Patients présentant une Hémophilie A Traités par Aristyle	2017-AD3517-46	NCT04675541	CEN Biotech	NC	Caen	CHU Lille, CHU Caen, CHU Brest, CHU Rouen, CHU Rennes, CHU Limoges, CHU Nantes, CHU Saint Etienne, Hôpital Simone Veil, Hôpital Mignot, CHU Kremlin Bicêtre, Hôpital Necker, CHU Clermont Ferrand, CH Métropole Savoie Chambéry, CHU Grenoble, CHU Montpellier, CH Montmory, Strasbourg, Tours, Versailles	17	50	62	31/12/2021	NC	NC	Fin de période d'inclusion le 31/12/21. Dès janvier 2022, ce ne sera que du suivi des patients inclus (3 ans de suivi par patient)	NA	
Hémophilie A	Sévère	PuFs	Octapharma	Industriel	Novwq, octanate, wilate	Protect NOW	Practical utilization of octapharma FVIII concentrates in previously untreated and minimally treated hemophilia A patients entering routine clinical treatment (with Novwq, Octanate or Wilate) - A real-world efficacy and safety observational study	NC	NC	NC	Phase IV	Bonn Johannes Oldenburg	Le Mans	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NA
Hémophilie A	Moderée et Sévère	> 65 ans	APHM	ANR (AAP générique 2021) et ADRG Junior 2021	NA	SENIORHEMO	État de santé objectif et perçu des seniors atteints d'hémophilie modérée ou sévère en France : une étude ancillaire du registre FrancoCoag	ID-RCB : 2021-402252-39	NCT05218772	NA	Recherche biomédicale impliquant la personne humaine (BRH) - Non interventionnelle (catégorie 3) défini par le Code de la Santé Publique, titre II, livre Ier, recherche biomédicale) / MR-003	EA3279 (Aix-Marseille Univ) / Service d'Epidémiologie et d'Economie de la Santé (AP-HM)	30	0	617	0	44926	NA	NA	Demande des autorisations réglementaires en cours	NA	
Hémophilie A	Sévère	≥ 18 ans	Spark	Industriel	NA	SPK-8011-301	A Multi-Center, Observational Study in Males with Hemophilia A		NCT03432520	SYNOS Health	Observationnelle	NC	le Kremlin Bicêtre	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NA
Hémophilie A	Sévère	≥ 18 ans	Spark	Industriel	SPK-2011	SPK-8011-302	A phase 3 Multi-Center Evaluation of the long-Term Safety and efficacy of SPK-2011 (Adeno-associated Viral Vector with B-Domain Deleted Human Factor VIII Gene) in Males with Hemophilia A		NCT03432520	SYNOS Health	3	NC	le Kremlin Bicêtre	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NA
Hémophilie A	Moderée à sévère	Tout âge (enfants et adultes)	Bayer AG	Financement directement par le promoteur (Bayer)	Kovaltry (Octocog alfa)	TAURUS	TAURUS: A Multinational Phase IV Study Evaluating "Real World" Treatment Pattern in Previously Treated Hemophilia A Patients Receiving KOVALTRY (Octocog alfa) for Routine Prophylaxis.	Etude PASS soumise avant la loi Jardé. Pas de N° EUDRACT ni de N° ID RCB, Registre PASS : ELPAS15459	NCT02830477	Non applicable	IV	Non applicable. Il n'y a pas eu de contrat unique car il s'agissait d'une étude observationnelle.	Montmory, Strasbourg	11	25	25	43800	320 patients recrutés	103	clôturée en sep 2021	NA	
Hémophilie A et B	Toutes sévérités	≥ 12 ans	Sandoz	Industriel	Fiburin	ATLAS - OLE	ATLAS-OLE: An Open-label, Long-term Safety and Efficacy Study of Fiburin in Patients with Hemophilia A or B, with or without Inhibitory Antibodies to Factor VIII or IX Etude ATLAS-OLE LTE15174	2018-002880-25	NCT03754790		3	Lyon	Necker									NA
Hémophilie A et B	Sévère	≥ 12 ans	Pfizer	Industriel	Mantacimab	BASIS	Study of the Efficacy and Safety PF-06741088 in Adult and Teenage Participants With Severe Hemophilia A or Moderately Severe to Severe Hemophilia B	2018-003660-31	NCT03938792	PARREL	3	Nantes	Necker				45536	150		en cours	NA	
Hémophilie A et B	Sévère	> 18 ans	Takeda	Industriel	NA	BAKALTA - 201601 - Séroprévalence	A Global Epidemiologic Study to Determine the Prevalence of Neutralizing Antibodies and Related Adaptive Immune Responses to Adeno-Associated Virus (AAV) in Adults With Hemophilia	2017-A00849-44	NCT01185897		obs	Lyon	Lille, le Kremlin Bicêtre									NA
Hémophilie A et B	Toutes sévérités	NC	Service d'hématologie : Hôpital universitaire d'Orléans, Rikhsophtaliet N-0017 Orléans, Navarre	NC	NA	Etude ADVANCE	Etude longitudinale portant sur les comorbidités liées à l'âge chez les personnes atteintes d'hémophilie	NC	NCT04774510	CERNER Eviza	Registre	NC	le Kremlin Bicêtre	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NA
Hémophilie A et B	sévère avec inhibiteur	>12 ans	NOVO NORDISK	Industriel	Concumbab	EXPLORER 7	Étude d'efficacité et de sécurité du concumbab en prophylaxie chez des patients atteints d'hémophilie A ou B avec inhibiteurs	2018-004889-34	NCT04083781	NC	Phase IIa	Bicêtre	Lyon, Clermont-Ferrand, Kremlin-Bicêtre & Rennes	4	NC	NC	18-mars-21	136	86	NC	NA	
Hémophilie A et B	Sévère	≥ 18 ans	Novonordisk	Industriel	Concumbab	Explorer 8	Efficacité et sécurité du concumbab en prophylaxie chez des patients atteints d'hémophilie A ou B sans inhibiteurs	2018-004891-36	NCT04082429	NC	RIPH1 / III	NC	Brest, Rennes	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	Suivi en cours	NA
Hémophilie A et B	Sévère	> 12 et ≤ 17 ans	APHM	ADRG Junior 2016 et Bayer Hemophilia Award Program 2017	NA	FRATHEMO	Évaluer le poids du fonctionnement familial sur la qualité de vie, prise comme tracour de la santé globale, rapportée par la fratrie, et étudier les mécanismes en jeu dans le fonctionnement de la fratrie dans le contexte de l'hémophilie sévère	NA	NCT03299699	NA	Recherche n'impliquant pas la personne humaine (catégorie 4) - MR-004	EA3279 (Aix-Marseille Univ) / Service d'Epidémiologie et d'Economie de la Santé (AP-HM)	Lyon, Lille, Nancy, le Kremlin Bicêtre, Rennes, Rouen, Versailles	20	57	30	01/05/2021	NC	NC	Inclusions clôturées, analyses en cours	NA	
Hémophilie A et B	Toutes sévérités	> 18 ans	CHU Clermont-Ferrand	Académique	NA	HEMODOL	États des lieux des douleurs chroniques chez les patients atteints d'hémophilie	2021-AD1217-34	NCT05202951	NC	RIPH3	Clermont-Ferrand	Clermont-ferrand, Hospices civils de Lyon, Saint-etienne, Bordeaux, Grenoble et Chambéry	6	350	NC	44592	NC	NC	En attente de mise en place	NA	
Hémophilie A et B	Toutes sévérités	> 18 ans	SOBI	Industriel	NA	HemoFast	Psychometric validation of the Hemophilia Functional Ability Scoring Tool (Hemo-FAST)	2020-AD2727-32	NCT04731701	KANTAR	risque minime	Rouen	Besançon, Caen, Chambéry, Lyon, Marseille, Nancy, Dijon, Nantes, le Kremlin Bicêtre, Rouen, Saint Etienne, Strasbourg, Toulouse, Cochin, Clermont Ferrand	17	180	NC	44742	NC	NC	en cours	NA	
Hémophilie A et B	Hémophilies A et B et leurs aidants impliqués dans leur prise en charge thérapeutique	≥ 12 ans	Hospices Civils de Lyon	HCL - AFH - LICBL	NA	INNOVHEMO	IMPACT DE L'INNOVATION SUR L'ORGANISATION DE LA PRISE EN CHARGE DE L'HEMOPHILIE : POINT DE VUE DU PATIENT.	NC	NC	NC	hors loi Jardé	Hospices Civils de Lyon	Hospices Civils de Lyon, Centre Hospitalier Métropole Savoie Chambéry	2	30	NC	2022	NC	NC	ouvert aux inclusions	L'objectif principal est d'analyser l'impact perçu par les patients de l'innovation sur l'organisation de leur prise en charge.	

RECENSEMENT ESSAIS CLINIQUES

Hémophilie et autres déficits rares en protéines de la coagulation

Pathologie	Sévérité	Limite âge	Promoteur	Financement (Industriel, Grant, PHRC...)	Molécule	Titre abrégé	Titre protocole	N° EUDRACT (si sur médicament) ou N° ID RCB	N° ClinicalTrials.gov	CRO	Phase/Catégorie	Centre coordinateur	Centres associés ouverts en France	Nombre de centres ouverts en France	Nombre de patients attendus France	Nombre de patients inclus France	Date théorique de fin des inclusions	Nombre de patients attendus Monde / Europe	Nombre de centres ouverts dans le monde	Etat d'avancement	Commentaires	
Hémophilie A et B	Non sévère	au moins 18 ans et moins de 65 ans enregistrés dans la cohorte FranceCoag	APHM	Financement directement par le promoteur HIRCO Research Grant	NA	INTHEMO	Insertion professionnelle des adultes atteints d'hémophilie sévère en France - Une étude ancillaire de la cohorte FranceCoag (INTHEMO)	NC	NC	NC	Observationnelle	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	Etude enregistré dans la cohorte du réseau FranceCoag.	
Hémophilie A et B	Toutes sévérités	Tout âge	CHU Rennes/BERHLINGO	Aucun	Articagulants AVK vs AOD	KADOAH	Etude cas contrôlé, multicentrique, rétrospective, non-interventionnelle comparant le risque hémorragique des traitements anticoagulants AVK vs AOD chez les patients présentant une hémophilie	nd	nd	CHU Rennes	4	Rennes	Rouen, Tourn	8	60	1	2022	Aucun	Qu'en France	En cours		
Hémophilie A et B	Sévère	≥ 18 ans	Pfizer	Industriel	FVIII-FIX	NAB PROTOCOL	Six Month lead-in Study to Evaluate Prospective Efficacy and Safety Data of Current FVIII Prophylaxis Replacement Therapy in Adult Hemophilia B Subjects (FK-C2H) or Current FVIII Prophylaxis Replacement Therapy in Adult Hemophilia A Subjects (FKW-C2H)	2017-001271-23	NCT03587116	PAREXEL	3	NC	Necker	NC	NC	NC	oct-22	250	NC	en cours	NA	
Hémophilie A et B	Hémophilies A et B mineurs modérés et sévères non traités	> 18 ans	CHU de Saint-Étienne	PHRC IR	NA	PHLEDS	Hémophilie et perte osseuse	2019-AD3358-49	NCT0484341	RCTs Lyon	RPH 2	Saint-Étienne	CHU Saint Etienne, CHU CTH Clermont Ferrand, CHU CTH Grenoble Alpes, CTH Centre Hospitalier Métropole Savoie, CHU CTH La Timone Marseille, CHU CTH de Bordeaux-Gli Pellegrin, CHU - CTH Baccage Dijon, CHU-CTH Rouen, CHU CTH Necker Paris, CHU-CTH Brest- Hôpital Morvan, CHU-CTH Rennes- Hôpital Pontchaillou, CHU CTH Strasbourg- Hôpital de Hautepierre, CHU Caen, CH Nancy	16	240	140	31/12/2023	480		Inclusion et suivis en cours	Déterminer la prévalence de l'ostéoporose chez les hémophilies A et B sévères sans prophylaxie comparativement à des sujets témoins.	
Hémophilie A et B	Sévère	> 18 ans	CHU de Nantes	NC	NA	SAHIBA	Statut Articulaire des Hémophiles Modérés B et A	NC	NC	NC	NC	NC	le Kremlin Bicêtre	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NA
Hémophilie A et B	Sévère	≥ 12 ans	Sanofi	Industriel	Fitsiran	SANOFI-ATLAS 004 - fitsiran	ATLAS-A/B: A Phase 3 Study to Evaluate the Efficacy and Safety of Fitsiran in Patients With Hemophilia A or B, Without Inhibitory Antibodies to Factor VIII or IX	2016-001464-11	NCT0417245		3	Lyon	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NA
Hémophilie A et B	Sévère	≥ 12 ans	Sanofi	Industriel	Fitsiran	SANOFI-ATLAS 009 - fitsiran	ATLAS-PPK: An Open-label, Multinational, Switching Study to Describe the Efficacy and Safety of Fitsiran Prophylaxis in Patients With Hemophilia A and B Previously Receiving Factor or Bypassing Agent Prophylaxis.	2016-004087-19	NCT03549871		3	Lyon	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NA
Hémophilie A ou B	Sévère	> 18 ans	BioMarin	Industriel	BMN 270	BMN 270-301	A Phase 3 Open-Label, Single-Arm Study To Evaluate The Efficacy and Safety of BMN 270, an Adeno-Associated Virus Vector-Mediated Gene Transfer of human Factor VIII in Hemophilia A Patients with Residual FVIII Levels < 1 IU/dL Receiving Prophylactic FVIII Infusions	IND #: 017659	NCT03370913	CRO - ARC : Geraldine Vignes	Phase 3	AP-HM	Lille, le Kremlin Bicêtre	2	7	3	01/11/2019	132	54	étude en cours 2ieme année terminée	NA	
Hémophilie A ou B	Minime, modérée ou sévère	Né entre 2000 et 2030	PedNet Haemophilia Research Foundation	Unrestricted grants from industry	NA	PedNet	The European Paediatric Network for Haemophilia Management and the PedNet Haemophilia Registry	NA	NCT02979119	NA	cohorte	PedNet Haemophilia Research Foundation, Baarn, The Netherlands		Inconnu	362		NA	Inconnu	33	en recrutement	NA	
Hémophilie B	Sévère	> 18 et ≤ 65 ans	Pfizer, Inc.	Industriel	NA	BeneGene-2	Étude préparatoire, multicentrique, en ouvert, ne portant pas sur un produit expérimental et visant à évaluer des données prospectives d'efficacité et des données ciblées de sécurité d'emploi d'un traitement prophylactique de substitution en cours par le facteur IX (FIX) ou le facteur VIII (FVIII) dans le cadre des soins habituels de participants adultes atteints d'une hémophilie B modérément sévère à sévère (FIX : C < 2 %) qui sont négatifs pour les anticorps neutralisants dirigés contre le vecteur viral adeno-associé SPARK100 (BENEGENE-1) et de participants adultes atteints d'une hémophilie A modérément sévère à sévère (FVIII : C < 1 %) qui sont négatifs pour les anticorps neutralisants dirigés contre le vecteur viral adeno-associé 6 (AAV6), avant les études thérapeutiques respectives de thérapie génique de phase 3	2017-001271-23	NCT03587116	Parxel	Phase 3	CHU Lyon-HCL	3	5	pas de limite	55 patients screened 22 patients randomisés	44652	111 patients	72	en phase de recrutement	NA	
Hémophilie B	Patients ayant un diagnostic d'hémophilie B précédemment traité par facteur IX puis traité en routine par de l'Alprolix	> 18 ans	SOBI	Industriel	Alprolix	B-SURE	Étude prospective, non-interventionnelle, multicentrique évaluant l'efficacité et l'utilisation en vie-réelle d'Alprolix dans la prise en charge des patients hémophiles B en France sur une période prospective de 24 mois	2018-AD1451-54	NCT03655340	KANTAR HEALTH	RPH3	Lyon	Dijon, Cam, Clermont-Ferrand, Lille, Marseille, Nantes, le Kremlin Bicêtre, Rennes, Rouen, Strasbourg, Toulouse	25 centres	80 patients	91	3ème trimestre 2019	NC	NC	fermée aux inclusions	L'objectif principal de cette étude est de décrire l'efficacité et l'utilisation en vie-réelle d'Alprolix sur une période prospective de 24 mois.	
Hémophilie B	modérément sévère à sévère (FIX : C ≤ 2 %)	> 18 ans	Pfizer	Industriel	NA	CO371004	Étude préparatoire, multicentrique, en ouvert, ne portant pas sur un produit expérimental et visant à évaluer au moins 6 mois de données prospectives d'efficacité et de données ciblées de sécurité d'emploi d'un traitement prophylactique de substitution par le facteur IX (FIX) dans le cadre des soins habituels de patients adultes atteints d'une hémophilie B modérément sévère à sévère (FIX : C ≤ 2 %) qui sont négatifs pour les anticorps neutralisants (AN) dirigés contre le vecteur viral adeno-associé (AAV)-SPARK100	NC	NCT03587116	NC	NC	Lyon	Brest, Lyon	NC	NC	NC	NC	NC	NC	Suivi en cours	NA	
Hémophilie B	Sévère et Modéré	≥ 16 ans	FreeLine Therapeutics	Industriel	NA	ECLIPSE	Screening and Lead-in Observational Protocol to determine Potential Patient Eligibility for Inclusion in AAV Gene Therapy Clinical Trials in Haemophilia B (ECLIPSE)	2019-AD1402-55	NA	NC	obs	Lyon	NC	NC	NC	NC	01/10/2022	NC	NC		NA	

RECENSEMENT ESSAIS CLINIQUES

Hémophilie et autres déficits rares en protéines de la coagulation

Pathologie	Sévérité	Limite âge	Promoteur	Financement (Industriel, Grant, PHRC...)	Molécule	Titre abrégé	Titre protocole	N° EUDRACT (si sur médicament) ou N° ID RCB	N° ClinicalTrials.gov	CRO	Phase/Catégorie	Centre coordinateur	Centres associés ouverts en France	Nombre de centres ouverts en France	Nombre de patients attendus France	Nombre de patients inclus France	Date théorique de fin des inclusions	Nombre de patients attendus Monde / Europe	Nombre de centres ouverts dans le monde	Etat d'avancement	Commentaires
Hémophilie B	Toutes sévérités confondues	Tout âge	CSL Behring	Industriel	Idelvion*	OPHE	Observatoire des Patients présentant une hémophilie B traités par Idelvion*	ID RCB : 2021-400469-33	NCT05086575	EURAXI Pharma	Catégorie 3	Brest	Nantes, Lille, Le Mans, Le Chesnay, Eaubonne, Bordeaux, Dijon, Clermont-Ferrand, Brest, Nancy, Rouen, Rennes, Montmorency, Montpellier, le Kremlin Bicêtre, Saint Etienne et Beaupont	12	100	3	Q4 2023	Centres uniquement français	NA	L'étude a démarré début décembre 2021, 2 ans d'inclusion, ouverture des autres centres associés en cours	NA
Hémophilie B	Sévère	> 18 ans	Pfizer	Industriel	RAAV-SPARK100-HFIX-PADUA	PFIZER - C0371002 - TG	PHASE 3, OPEN LABEL, SINGLE ARM STUDY TO EVALUATE EFFICACY AND SAFETY OF FIX GENE TRANSFER WITH PF-06838435 (RAAV-SPARK100-HFIX-PADUA) IN ADULT MALE PARTICIPANTS WITH MODERATELY SEVERE TO SEVERE HEMOPHILIA B (FIX:C <=2%) (BENEGENE-2)	2018-003086-33	NCT03861273		3	Lyon	Marseille, Necker	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NC	NA
Hémophilie et autres déficits rares en protéines de la coagulation	Sévère	14-17 ans et 20-29 ans	APHM	PSEPS 2015	NA	TRANSHEMO	Déterminer l'effet de facteurs psycho-sociaux et organisationnels sur la qualité de la transition vers la vie d'adulte des jeunes patients hémophiles, agréés par l'évolution de leur observance au suivi clinique proposé et au traitement prescrit (prophylaxie, à la demande)	ID-RCB : 2016-401034-47	NCT02866526	NA	Recherche biomédicale impliquant la personne humaine (BRPH) - Interventionnelle (catégorie 1) ne portant pas sur un produit mentionné à l'article L. 5311-1 du code de la santé publique / MR-001	EA3279 (Aix-Marseille Univ) / Service d'Epidémiologie et d'Economie de la Santé (AP-HM)	Dijon, Lille, le Kremlin Bicêtre, Rennes	29	380	282	27/02/2019 (phase quantitative) 14/06/2023 (phase qualitative)	NA	NA	Inclusions clôturées, analyses en cours	NA
Hémophilie et autres déficits rares en protéines de la coagulation	Sévère	14-17 ans et 20-29 ans	APHM	PSEPS 2015	NA	TRANSHEMO	Déterminer l'effet de facteurs psycho-sociaux et organisationnels sur la qualité de la transition vers la vie d'adulte des jeunes patients hémophiles, agréés par l'évolution de leur observance au suivi clinique proposé et au traitement prescrit (prophylaxie, à la demande)	ID-RCB : 2016-401034-47	NCT02866526	NA	Recherche biomédicale impliquant la personne humaine (BRPH) - Interventionnelle (catégorie 1) ne portant pas sur un produit mentionné à l'article L. 5311-1 du code de la santé publique / MR-001	EA3279 (Aix-Marseille Univ) / Service d'Epidémiologie et d'Economie de la Santé (AP-HM)	Dijon, Lille, le Kremlin Bicêtre, Rennes	29	380	282	27/02/2019 (phase quantitative) 14/06/2023 (phase qualitative)	NA	NA	Inclusions clôturées, analyses en cours	NA
Dysfibrinogénémie	Dysfibrinogénémie héréditaire	> 18 ans	CHU Clermont-Ferrand/ Hôpitaux de Genève	Académique	NA	GENDYSFB	Génomique de la structure du callos chez les patients atteints de dysfibrinogénémie constitutionnelles	2021-400745-36	en attente	/	RPH3	Clermont-Ferrand	Chambery,	7	50		30/09/2023	/	/	En attente de mise en place	NA